

尼卡利单抗注射液

强生制药有限公司

申请纳入2026国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录

- **唯一1类**FcRn拮抗剂；**突破性疗法**；**优先审评审批**
- **填补空白**：中国目前**首个且唯一**，治疗**12岁及以上青少年**和成人AChR+或**MuSK+** gMG的FcRn拮抗剂
- **同类最优**：1. 尼卡利单抗是**唯一**能提供**持久平稳**疾病控制的FcRn拮抗剂 (长达120周数据); 2. 匹配调整间接(MAIC)比较研究：尼卡利单抗的持续疗效**显著优于其它FcRn拮抗剂**

申报幻灯目录

1 药品基本信息 (P1-3)

- 全身型重症肌无力(gMG)为**第一批罕见病目录病种**
- 中国目前**首个且唯一**治疗**12岁及以上青少年**和成人AChR+或**MuSK+** gMG的FcRn拮抗剂

2 有效性 (P4, P5)

- 全球注册临床研究显示：**1周快速起效、2年持久平稳**
- 匹配调整间接(MAIC)比较研究：尼卡利单抗的持续疗效**显著优于其它FcRn拮抗剂**

3 安全性 (P6)

- 尼卡利单抗组和安慰剂组**整体不良事件发生率相当**

4 创新性 (P7)

- **唯一1类**FcRn拮抗剂；突破性疗法；优先审评审批

5 公平性 (P8)

- **罕见病用药**
- **填补目录**12岁及以上青少年和MuSK+gMG疗法**空白**

尼卡利单抗基本信息

产品基本信息¹⁻³

通用名	尼卡利单抗注射液		
注册规格	1200mg(6.5ml)/瓶 (主规格) 300mg(1.62ml)/瓶;		
说明书适应症	本品与常规治疗药物联合用于治疗抗乙酰胆碱受体 (AChR) 抗体或 抗肌肉特异性酪氨酸激酶 (MuSK) 抗体阳性的成人和12岁及以上青少年 全身型重症肌无力 (gMG) 患者		
罕见病用药	是; gMG为我国第一批罕见病目录病种²		
用法用量	<ul style="list-style-type: none"> 起始剂量: 30mg/kg; 起始剂量给药2周后, 维持剂量为15mg/kg静脉输注约15分钟, 此后以每2周一次继续给予维持剂量 		
药品注册分类	<ul style="list-style-type: none"> 1类治疗用生物制品³ 		
国内上市时间	2026年5月19日	1类新药³	✓
是否独家	是	突破性疗法³	✓
专利到期时间	2036年	优先审评审³	✓

建议参照药

建议参照药: **艾加莫德α注射液**

最符合医保参照药原则:

- **相同机制:** 均为FcRn拮抗剂, 且艾加莫德是目录里唯一FcRn拮抗剂^{4,5}
- **适应症最接近:** 均用于治疗成人AChR+gMG, 此外尼卡利单抗还获批用于**12岁及以上青少年**以及MuSK+ gMG^{1,4}
- 艾加莫德是我国临床应用最广泛的生物制剂

建议价值评级: **改进**; 理由如下:

- **唯一*1类FcRn拮抗剂; 突破性疗法; 优先审评审³**
- **填补空白:**
 - 我国首个且目前唯一*获批12岁及以上青少年gMG的靶向药物¹
 - 填补医保目录MuSK+ gMG疗法空白⁵
- **疗效更优:** 尼卡利单抗的**持续疗效显著优于**艾加莫德: MG-ADL评分的AUC低-1.76, P=0.001⁶
- **机制更优:**
 - **唯一*全人源**单克隆抗体FcRn拮抗剂⁷
 - FcRn的亲和力是艾加莫德的500-3500倍: IgG下降更快更深第2周降幅: 尼卡利单抗 75% vs. 艾加莫德 55%⁸⁻¹⁰

1. 尼卡利单抗说明书 (核准日期: 2026年05月19日); 2. 国卫医发〔2018〕10号第一批罕见病目录; 3. 国家药品监督管理局药品审评中心信息公开 - (受理品种信息、纳入突破性治疗品种名单、纳入优先审评审品种名单) 4. 艾加莫德α注射液说明书; 5. 国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录(2025年); 6. Jacob, S., Hashim, M., Hutton, B. et al. Adv Ther (2026).; 7. FcRn拮抗剂治疗成人全身型重症肌无力临床应用的专家建议(2024)[J].中国临床神经科学,2025,33(01):1-9.; 8. Carlo A et al. Lancet Neurol 2025; 24: 105-16; 9. James F Howard Jr. Lancet Neurol 2021; 20: 526-36; 10. Nilufer S et al, Poster at Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine (AANEM) Annual Meeting; San Francisco

*截止到2026年5月31日

全身型重症肌无力(gMG)是一种罕见的、由致病性IgG抗体介导的慢性自身神经免疫性疾病，累及全身肌群，会导致残疾、失业失学、抑郁

疾病介绍

gMG是一种由致病性IgG抗体介导的慢性自身神经免疫性疾病，累及全身肌群^{1,2}

- 我国重症肌无力(MG)的发病率约为0.68/10万人/人，其中85%是全身型重症肌无力(gMG)¹
- **gMG纳入《第一批罕见病目录》(序号32)**³
- gMG患者中，80~85%是AChR+，5~8%是MuSK+亚型⁴



疾病负担

gMG会导致患者残疾、失业失学、抑郁；部分患者因为病情变化甚至危象需要住院或ICU治疗，住院死亡率高达14.69%^{1,2,4-6}

- **发病情况**
 - gMG的3个发病高峰年龄为 **儿童青少年**，**30岁**和**50岁**左右⁴
- **社会与经济影响**
 - **65%**gMG患者伴有残疾⁴
 - **31%**患者因疾病导致失学或失业⁴；**41%**患者**无收入来源**，**28%**患者月收入<3,000元⁴
 - **70%**患者报道中重度**焦虑**；**19%**患者报道中重度**抑郁**⁵
- **病情变化与危象**
 - **60%**患者在半年内出现病情加重或复发⁴
 - **10%**以上患者会在短期内出现肌无力危象，发生进行性呼吸困难，需要呼吸支持²
 - 患者住院死亡率**14.69%**¹

特殊人群即青少年、MuSK抗体阳性gMG患者未满足需求更为突出 尼卡利单抗：唯一获批用于12岁及以上青少年gMG

青少年患者发病率高、死亡率高，严重影响学习和心理， 无获批可用的靶向生物制剂

• 发病与死亡情况

- 约半数的gMG患者首次发病是在儿童及青少年时期¹
- 10-19岁是gMG患者死亡率的高峰之一

• 影响患者学习和心理健康

- 50% 患者报告影响学习、活动、兴趣爱好发展等²
- 63% 青少年患者报告影响心理健康，导致自卑、伤心等²

• 青少年gMG患者既往无药可用

 **尼卡利单抗是唯一获批治疗12岁及以上青少年gMG的生物制剂**

注：依库珠单抗仅可以用于6岁及以上难治性AChR+ gMG的治疗

MuSK抗体阳性患者症状更重， 治疗难度更大

	MuSK抗体阳性	vs	AChR抗体阳性
共病风险 ³	5 倍	vs	1 (参照)
肌无力危象风险 ⁴	2-3 倍	vs	1 (参照)
肌无力危象后 ⁴		vs	
机械通气时间	43 天	vs	17 天
ICU时间	45 天	vs	21 天
住院时间	56 天	vs	29 天
对AChE-I的 ⁵ 治疗反应	无效且存在多种不良反应	vs	有效
对传统NSIST的治疗反应 ⁵	仅部分患者应答，难以通过泼尼松/硫唑嘌呤实现症状控制	vs	泼尼松/硫唑嘌呤等传统免疫抑制剂可有效实现症状控制

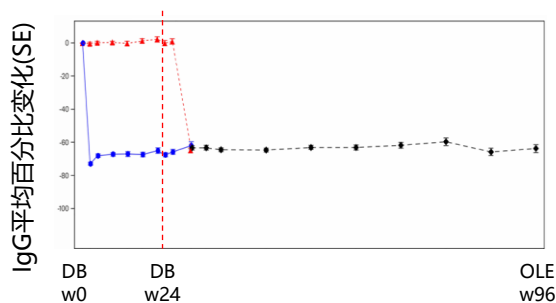
1. 中国重症肌无力诊断和治疗指南(2020版); 2. 2022中国重症肌无力患者健康报告; 3. Morren J, et al. Muscle Nerve. 2018 Sep;58(3):344-358.; 4. König N, et al. J Neurol. 2021 Dec;268(12):4824-4833.; 5. Rodolico C, et al. Front Neurol. 2020;11:660.

全球注册临床研究显示：1周快速起效、2年持久平稳

持续治疗120周，主要研究终点MG-ADL评分较基线持续降低6.5分

尼卡利单抗可快速且持续降低总IgG水平

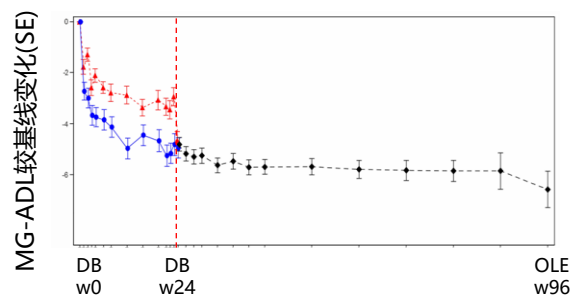
- 快速显著降低IgG：**尼卡利单抗首次给药后**2周**，总IgG抗体水平**降低75%**
- 快速下降后稳定在较低水平



--- 安慰剂 --- 尼卡利单抗 --- 所有尼卡利单抗

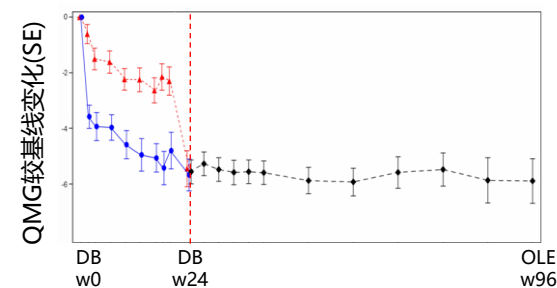
一周快速起效，持续治疗120周，MG-ADL评分持续降低6.5分

- 一周快速起效：**在双盲期间，尼卡利单抗组一周显著改善MG-ADL评分；第22-24周，**尼卡利单抗 vs 安慰剂：-4.70 vs -3.25 (P = 0.0024)**
- 持久平稳疾病控制：**在持续治疗120周 (OLE第96周)时，**尼卡利单抗+标准治疗：-6.47 (1.20)**



QMG总评分在快速下降后维持稳定，持续治疗120周，QMG降低约6分

- 一周快速起效：**在双盲期间，尼卡利单抗组一周显著改善QMG评分；第22-24周，**尼卡利单抗 vs 安慰剂：-4.86 (0.504) vs -2.05 (0.499) (P = 0.00012)**
- 持久平稳疾病控制：**在持续治疗120周 (OLE第96周)时，**尼卡利单抗+标准治疗：-5.97 (1.29)**



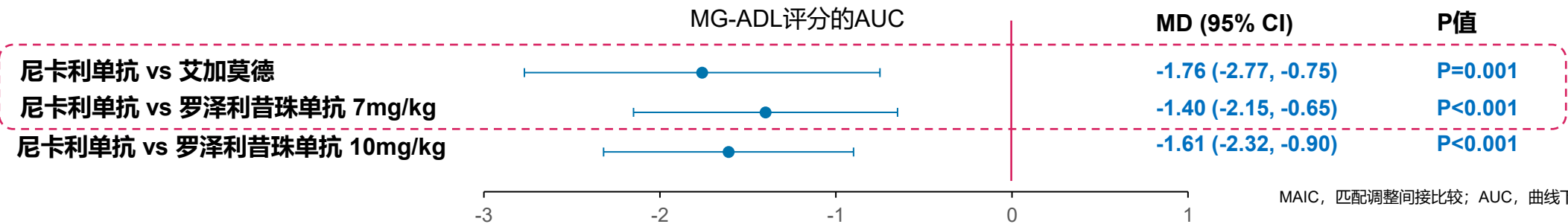
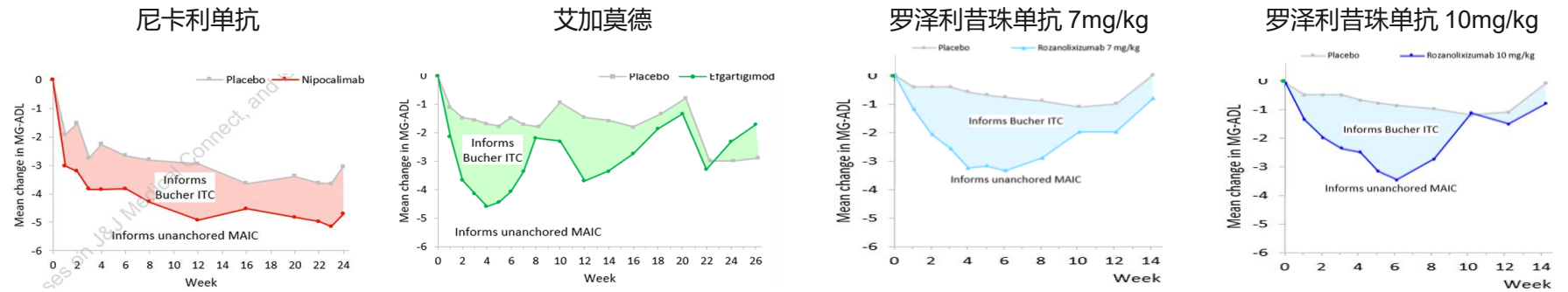
- Vivacity-MG3研究是gMG领域迄今**规模最大、持续时间最长**的随机对照研究之一，**首个**在6个月固定给药方案中显示FcRn拮抗剂持续疗效的注册研究。双盲期：一项为期24周、多中心、随机、双盲、安慰剂对照的关键研究；开放标签扩展期 (OLE)：完成双盲期的患者均有资格参与OLE阶段研究，目前OLE仍在进行中，已有长达**120周**数据发表^{1,2}
- 重症肌无力日常生活活动能力量表(MG-ADL)，评估MG患者的症状对日常生活质量的影响，是指南推荐的反映疾病严重程度的量表，也是药物临床试验主要终点指标；
- 定量重症肌无力评分(QMG)是客观测量 MG 受累肌群的肌力和耐力情况的标准化量表，是指南推荐的反映疾病严重程度的量表，QMG可作为临床研究中的共同主要终点或关键次要终点

匹配调整间接(MAIC)比较研究: 尼卡利单抗的持续疗效显著优于其它FcRn拮抗剂

MAIC分析显示, 尼卡利单抗的持续疗效显著优于艾加莫德和罗泽利昔单抗¹

本研究纳入三项临床3期关键临床研究数据: 尼卡利单抗的Vivacity-MG3研究、艾加莫德的ADAPT研究、罗泽利昔单抗的MycarinG研究; 采用间接治疗比较方法, 评估三种药物对gMG患者的持续疾病控制效果, 同时分析疗效起效时间、一致性及累积治疗效应; 本研究已经发表在ADV THER同行评审期刊

各FcRn拮抗剂
关键III期研究
MG-ADL评分的
AUC



- AUC是通过将“MG-ADL的CFB随时间变化的曲线”与时间轴围成的面积, 按每周进行标准化处理后得到的指标
- 反映累积疗效:** AUC可综合评估药物在整个治疗周期内的**持续改善能力**, AUC越大, 说明药物在观察期内对患者MG-ADL的累积改善效应越强, **疾病控制的整体效果越优**

1. Jacob, S., Hashim, M., Hutton, B. et al. Adv Ther (2026).

唯一全人源FcRn拮抗剂

双盲期尼卡利单抗组和安慰剂组整体不良事件发生率相当

安全性和耐受性¹

	双盲期安慰剂	双盲期尼卡利单抗	OLE (84周)所有尼卡利单抗
分析集: 血清反应阳性人群	76	77	137
平均随访持续时间, 周;	22.92	23.13	68.96
患者年(P-Y) [*]	33.4	34.1	181.1
	事件/P-Y ^a	事件/P-Y ^a	事件/P-Y ^a
所有不良事件(AE)	6.98	8.41	5.10
严重 AE	0.57	0.35	0.28
致死 AE	0.06	0.03	0.02
因AE导致治疗中止	0.18	0.18	0.06
感染和侵染	1.32	1.70	1.20
输注相关反应	0.51	0.35	0.07
裁定的MACE, 致死性	0.06	0	0.01
裁定的MACE, 非致死性	0.03	0	0.04

- 治疗24周, **不良事件发生率与安慰剂组相当**; 持续治疗84周(24周双盲+60周OLE), 无新增非预期不良事件

^{*}患者-年观察值(P-Y)计算为总随访天数/365

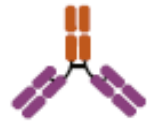
我国唯一1类FcRn拮抗剂;我国唯一获批12岁及以上青少年重症肌无力药物 唯一全人源FcRn拮抗剂

唯一1类FcRn拮抗剂

突破性疗法

优先审评

尼卡利单抗



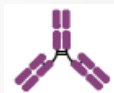
Fab段结合FcRn, 同时保留Fc段与FcRn的结合能力

全人源去糖基化IgG1抗体

- 适应症: 12岁及以上青少年和成人AChR+或MuSK+ gMG
- FcRn的亲和力是艾加莫德的500-3,500倍
- 第2周IgG下降75% vs. 艾加莫德55%

2026年5月NMPA获批
(注册分类: 1类)

罗泽利昔珠单抗



Fab段结合FcRn

人源化IgG4抗体

- 适应症: 成人AChR+或MuSK+ gMG

2025年3月NMPA获批
(注册分类: 3.1)

艾加莫德



Fc片段

人源IgG1 Fc片段

- 适应症: 成人AChR+ gMG

2023年6月NMPA获批
(注册分类: 3.1)

FcRn: 新生儿Fc受体; IgG: 免疫球蛋白G

FcRn拮抗剂的发展

填补青少年gMG用药空白，弥补目录成人MuSK+ gMG保障短板； 罕见病用药且替换现有目录内FcRn拮抗剂，医保基金影响有限且可控

- **提升公共健康水平**
 - 罕见病用药：全身型重症肌无力为**第一批罕见病目录病种**¹
 - **保障青少年的重症肌无力用药**
- **符合“保基本”原则**
 - 尼卡利单抗纳入医保以后替换现有FcRn拮抗剂，**医保基金影响有限且可控**
- **弥补目录短板**
 - 我国**唯一*获批12岁及以上青少年**重症肌无力的靶向药物^{2,3}
 - 弥补医保**目录内无MuSK+ gMG**治疗药物保障短板⁴
- **降低临床管理难度**
 - **唯一*连续用药**FcRn拮抗剂，提升患者依从性，降低临床管理和评估难度
 - 尼卡利单抗**显著降低激素用量、患者住院/急诊率、住院时间**，降低临床管理难度⁵

1. 国卫医发〔2018〕10号第一批罕见病目录；2. 中国重症肌无力诊断和治疗指南2025版；3. 尼卡利单抗说明书（核准日期：2026年05月19日）；
4. 国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录（2025年）；5. Geoffroy C. et al. ISPOR 2025. EE185

*截止到2026年5月31日

尼卡利单抗申请纳入2026国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录

填补空白¹⁻³

1. 我国首个且唯一*获批用于12岁及以上青少年gMG的药物^{1,2}
2. 填补医保目录MuSK+ gMG疗法空白^{2,3}

同类更优

1. 尼卡利单抗是唯一*提供持久平稳疾病控制的FcRn拮抗剂 (长达120周数据)^{4,5}
2. 匹配调整间接(MAIC)比较研究: 尼卡利单抗的持续疗效显著优于其它FcRn拮抗剂⁶
3. 唯一*1类FcRn拮抗剂⁷、唯一*全人源FcRn拮抗剂⁸

医保价值信息总结

有效性	<ul style="list-style-type: none">• 全球注册临床研究显示: 1周快速起效、2年持久平稳 (持续治疗120周, 主要研究终点MG-ADL评分持续降低-6.5分)⁴⁻⁵• 匹配调整间接(MAIC)比较研究: 尼卡利单抗的持续疗效显著优于其它FcRn拮抗剂⁶
安全性	<ul style="list-style-type: none">• 唯一*全人源FcRn拮抗剂^{1,2,8}• 治疗24周, 不良事件发生率与安慰剂组相当⁴
创新性	<ul style="list-style-type: none">• 唯一*1类FcRn拮抗剂; 突破性疗法; 优先审评审批⁷
公平性	<ul style="list-style-type: none">• 罕见病用药⁹; 弥补目录内12岁及以上青少年和MuSK+ gMG保障短板¹⁻³
经济性	<ul style="list-style-type: none">• 纳入医保以后替换目录内现有FcRn拮抗剂, 医保基金影响有限且可控

1. 中国重症肌无力诊断和治疗指南2025版; 2. 尼卡利单抗说明书 (核准日期: 2026年05月19日); 3. 国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录(2025年); 4. Antozzi C, et al. Lancet Neurol. 2025;24(2):105-116.; 5. Antozzi C, et al. Presented at the American Academy of Neurology (AAN) Annual Meeting; Apr 18-22, 2026; Chicago, IL, USA; 6. Jacob, S., Hashim, M., Hutton, B. et al. Adv Ther (2026); 7. 国家药品监督管理局药品审评中心信息公开- (受理品种信息、纳入突破性治疗品种名单、纳入优先审评品种名单); 8. FcRn拮抗剂治疗成人全身型重症肌无力临床应用的专家建议(2024)[J].中国临床神经科学,2025,33(01):1-9.; 9. 国卫医发〔2018〕10号第一批罕见病目录

*截止到2026年5月31日